

(12) NACH DEM VERTRAG ÜBER DIE INTERNATIONALE ZUSAMMENARBEIT AUF DEM GEBIET DES  
PATENTWESENS (PCT) VERÖFFENTLICHTE INTERNATIONALE ANMELDUNG

(19) Weltorganisation für geistiges Eigentum  
Internationales Büro



(43) Internationales Veröffentlichungsdatum  
30. September 2004 (30.09.2004)

PCT

(10) Internationale Veröffentlichungsnummer  
**WO 2004/083853 A3**

(51) Internationale Patentklassifikation<sup>7</sup>: **G01N 33/50**, C12Q 1/68, G01N 33/68

(21) Internationales Aktenzeichen: PCT/DE2004/000577

(22) Internationales Anmeldedatum:  
16. März 2004 (16.03.2004)

(25) Einreichungssprache: Deutsch

(26) Veröffentlichungssprache: Deutsch

(30) Angaben zur Priorität:  
103 12 846.8 21. März 2003 (21.03.2003) DE

(71) Anmelder (*für alle Bestimmungsstaaten mit Ausnahme von US*): MEDINNOVA GESELLSCHAFT FÜR MEDIZINISCHE INNOVATIONEN AUS AKADEMISCHER FORSCHUNG MBH [DE/DE]; Biegenstrasse 4, 35037 Marburg (DE).

(72) Erfinder; und

(75) Erfinder/Anmelder (*nur für US*): SENDTNER, Michael [DE/DE]; Helen Keller Strasse 24, 97209 Veitshöchheim (DE). ROSSOLL, Wilfried [DE/DE]; Gieshügeler Strasse 46, 97218 Gerbrunn (DE). JABLONKA, Sibylle [DE/DE]; Lindleinstr. 83, 97080 Würzburg (DE).

(74) Anwälte: JUNGBLUT, Bernhard usw.; Albrecht, Lüke & Jungblut, Patentanwälte, Gelfertstrasse 56, 14195 Berlin (DE).

(81) Bestimmungsstaaten (*soweit nicht anders angegeben, für jede verfügbare nationale Schutzrechtsart*): AE, AG, AL, AM, AT, AU, AZ, BA, BB, BG, BR, BW, BY, BZ, CA, CH, CN, CO, CR, CU, CZ, DK, DM, DZ, EC, EE, EG, ES, FI, GB, GD, GE, GH, GM, HR, HU, ID, IL, IN, IS, JP, KE, KG, KP, KR, KZ, LC, LK, LR, LS, LT, LU, LV, MA, MD, MG, MK, MN, MW, MX, MZ, NA, NI, NO, NZ, OM, PG, PH, PL, PT, RO, RU, SC, SD, SE, SG, SK, SL, SY, TJ, TM, TN, TR, TT, TZ, UA, UG, US, UZ, VC, VN, YU, ZA, ZM, ZW.

(84) Bestimmungsstaaten (*soweit nicht anders angegeben, für jede verfügbare regionale Schutzrechtsart*): ARIPO (BW, GH, GM, KE, LS, MW, MZ, SD, SL, SZ, TZ, UG, ZM, ZW), eurasisches (AM, AZ, BY, KG, KZ, MD, RU, TJ, TM), europäisches (AT, BE, BG, CH, CY, CZ, DE, DK, EE, ES, FI, FR, GB, GR, HU, IE, IT, LU, MC, NL, PL, PT, RO, SE, SI, SK, TR), OAPI (BF, BJ, CF, CG, CI, CM, GA, GN, GQ, GW, ML, MR, NE, SN, TD, TG).

Veröffentlicht:

- mit internationalem Recherchenbericht
- vor Ablauf der für Änderungen der Ansprüche geltenden Frist; Veröffentlichung wird wiederholt, falls Änderungen eintreffen

(88) Veröffentlichungsdatum des internationalen Recherchenberichts: 18. November 2004

Zur Erklärung der Zweibuchstaben-Codes und der anderen Abkürzungen wird auf die Erklärungen ("Guidance Notes on Codes and Abbreviations") am Anfang jeder regulären Ausgabe der PCT-Gazette verwiesen.

(54) Title: TEST SYSTEM FOR THE DISCOVERY OF SUBSTANCES FOR THE PROMOTION OF NEURAXONAL GROWTH

(54) Bezeichnung: TESTSYSTEM ZUR AUFFINDUNG VON SUBSTANZEN ZUR FÖRDERUNG DES NEURITENWACHSTUMS

**WO 2004/083853 A3**

(57) Abstract: The invention relates to a method for the discovery or testing of active substances which influence the growth and survival of nerve cells, whereby a cell is brought into contact with at least one substance and subsequently, within said cell, the mRNA from the β-actin or the β-actin protein itself or together with the SMN protein and/or a ribonucleic protein hnRNP, in particular the ribonucleic protein hnRNP-R and/or hnRNP-Q, are determined and the determined amounts of said components are compared with the amounts of said components in a cell which has not been brought into contact with the prospective active substance, a test system for carrying out said method and use of such a test system.

(57) Zusammenfassung: Die Erfindung betrifft ein Verfahren zur Suche oder Prüfung von Wirksubstanzen, welche das Wachstum und das Überleben von Nervenzellen beeinflussen, wobei eine Zelle in Kontakt gebracht wird mit mindestens einer Substanz und nachfolgend in dieser Zelle die mRNA des β-Aktin oder das β-Aktin Protein allein oder gemeinsam mit dem SMN Protein und/oder einem Ribonukleinprotein hnRNP, insbesondere dem Ribonukleoprotein hnRNP-R und/oder hnRNP-Q, bestimmt werden und die ermittelten Mengen dieser Komponenten verglichen werden mit den Mengen an diesen Komponenten in einer Zelle, welche nicht mit der prospektiven Wirksubstanz in Kontakt gebracht wurde, ein Testsystem zur Durchführung dieses Verfahrens sowie Verwendungen solcher Testsysteme.

# INTERNATIONAL SEARCH REPORT

International Application No  
PCT/DE2004/000577

**A. CLASSIFICATION OF SUBJECT MATTER**  
 IPC 7 G01N33/50 C12Q1/68 G01N33/68

According to International Patent Classification (IPC) or to both national classification and IPC

**B. FIELDS SEARCHED**

Minimum documentation searched (classification system followed by classification symbols)  
 IPC 7 G01N C12Q

Documentation searched other than minimum documentation to the extent that such documents are included in the fields searched

Electronic data base consulted during the international search (name of data base and, where practical, search terms used)

EPO-Internal, WPI Data, BIOSIS, MEDLINE, EMBASE

**C. DOCUMENTS CONSIDERED TO BE RELEVANT**

Category °	Citation of document, with indication, where appropriate, of the relevant passages	Relevant to claim No.
X	DE 44 16 446 A (BECTON DICKINSON CO) 17 November 1994 (1994-11-17) the whole document	7
Y	-----	8,9
X	US 5 543 509 A (KLOTMAN PAUL E ET AL) 6 August 1996 (1996-08-06) the whole document	7
Y	-----	8,9
		-/-

Further documents are listed in the continuation of box C.

Patent family members are listed in annex.

° Special categories of cited documents :

- \*A\* document defining the general state of the art which is not considered to be of particular relevance
- \*E\* earlier document but published on or after the International filing date
- \*L\* document which may throw doubts on priority claim(s) or which is cited to establish the publication date of another citation or other special reason (as specified)
- \*O\* document referring to an oral disclosure, use, exhibition or other means
- \*P\* document published prior to the International filing date but later than the priority date claimed

- \*T\* later document published after the International filing date or priority date and not in conflict with the application but cited to understand the principle or theory underlying the invention
- \*X\* document of particular relevance; the claimed invention cannot be considered novel or cannot be considered to involve an inventive step when the document is taken alone
- \*Y\* document of particular relevance; the claimed invention cannot be considered to involve an inventive step when the document is combined with one or more other such documents, such combination being obvious to a person skilled in the art.
- \*&\* document member of the same patent family

Date of the actual completion of the International search

1 October 2004

Date of mailing of the international search report

14/10/2004

Name and mailing address of the ISA

European Patent Office, P.B. 5818 Patentlaan 2  
NL - 2280 HV Rijswijk  
Tel. (+31-70) 340-2040, Tx. 31 651 epo nl,  
Fax: (+31-70) 340-3016

Authorized officer

STEINHEIMER, K

## INTERNATIONAL SEARCH REPORT

International Application No

PCT/DE2004/000577

## C.(Continuation) DOCUMENTS CONSIDERED TO BE RELEVANT

Category °	Citation of document, with indication, where appropriate, of the relevant passages	Relevant to claim No.
A	ROSSOLL WILFRIED ET AL: "Specific interaction of Smn, the spinal muscular atrophy determining gene product, with hnRNP-R and gry-rbp/hnRNP-Q: A role for Smn in RNA processing in motor axons?" HUMAN MOLECULAR GENETICS, vol. 11, no. 1, 1 January 2002 (2002-01-01), pages 93-105, XP002254072 ISSN: 0964-6906 cited in the application das ganze Dokument, siehe insbesondere die Zusammenfassung -----	1-11
A	WO 99/43806 A (INCYTE PHARMA INC ; CORLEY NEIL C (US); GUEGLER KARL J (US); TANG Y TO) 2 September 1999 (1999-09-02) the whole document -----	1-11
A	WANG JIN ET AL: "A cell system with targeted disruption of the SMN gene: Functional conservation of the SMN protein and dependence of Gemin2 on SMN" JOURNAL OF BIOLOGICAL CHEMISTRY, vol. 276, no. 13, 30 March 2001 (2001-03-30), pages 9599-9605, XP002298127 ISSN: 0021-9258 das ganze Dokument, insbesondere die Zusammenfassung -----	1-11

**INTERNATIONAL SEARCH REPORT**

Information on patent family members

International Application No PCT/DE2004/000577	
---	--

Patent document cited in search report	Publication date	Patent family member(s)		Publication date
DE 4416446	A 17-11-1994	DE	4416446 A1	17-11-1994
		IT	T0940379 A1	14-11-1994
		JP	7099981 A	18-04-1995
US 5543509	A 06-08-1996	NONE		
WO 9943806	A 02-09-1999	US	6130064 A	10-10-2000
		AU	2593199 A	15-09-1999
		CA	2321747 A1	02-09-1999
		EP	1056849 A1	06-12-2000
		JP	2002504367 T	12-02-2002
		WO	9943806 A1	02-09-1999
		US	6620783 B1	16-09-2003
		US	2004077007 A1	22-04-2004

# INTERNATIONALER RECHERCHENBERICHT

Internationales Aktenzeichen

PCT/DE2004/000577

**A. Klassifizierung des Anmeldungsgegenstandes**  
**IPK 7 G01N33/50 C12Q1/68 G01N33/68**

Nach der Internationalen Patentklassifikation (IPK) oder nach der nationalen Klassifikation und der IPK

**B. RECHERCHIERTE GEBIETE**

Recherchierte Mindestprüfstoff (Klassifikationssystem und Klassifikationssymbole)  
**IPK 7 G01N C12Q**

Recherchierte aber nicht zum Mindestprüfstoff gehörende Veröffentlichungen, soweit diese unter die recherchierten Gebiete fallen

Während der Internationalen Recherche konsultierte elektronische Datenbank (Name der Datenbank und evtl. verwendete Suchbegriffe)

**EPO-Internal, WPI Data, BIOSIS, MEDLINE, EMBASE**

**C. ALS WESENTLICH ANGESEHENE UNTERLAGEN**

Kategorie*	Bezeichnung der Veröffentlichung, soweit erforderlich unter Angabe der in Betracht kommenden Teile	Betr. Anspruch Nr.
X	DE 44 16 446 A (BECTON DICKINSON CO) 17. November 1994 (1994-11-17)	7
Y	das ganze Dokument	8,9
X	US 5 543 509 A (KLOTMAN PAUL E ET AL) 6. August 1996 (1996-08-06)	7
Y	das ganze Dokument	8,9
		-/-

Weitere Veröffentlichungen sind der Fortsetzung von Feld C zu entnehmen

Siehe Anhang Patentfamilie

- \* Besondere Kategorien von angegebenen Veröffentlichungen :
- \*A\* Veröffentlichung, die den allgemeinen Stand der Technik definiert, aber nicht als besonders bedeutsam anzusehen ist
- \*E\* älteres Dokument, das jedoch erst am oder nach dem internationalen Anmeldeatum veröffentlicht worden ist
- \*L\* Veröffentlichung, die geeignet ist, einen Prioritätsanspruch zweifelhaft erscheinen zu lassen, oder durch die das Veröffentlichungsdatum einer anderen im Recherchenbericht genannten Veröffentlichung belegt werden soll oder die aus einem anderen besonderen Grund angegeben ist (wie ausgeführt)
- \*O\* Veröffentlichung, die sich auf eine mündliche Offenbarung, eine Benutzung, eine Ausstellung oder andere Maßnahmen bezieht
- \*P\* Veröffentlichung, die vor dem Internationalen Anmeldeatum, aber nach dem beanspruchten Prioritätsdatum veröffentlicht worden ist
- \*T\* Spätere Veröffentlichung, die nach dem internationalen Anmeldeatum oder dem Prioritätsdatum veröffentlicht worden ist und mit der Anmeldung nicht kollidiert, sondern nur zum Verständnis des der Erfindung zugrundeliegenden Prinzips oder der ihr zugrundeliegenden Theorie angegeben ist
- \*X\* Veröffentlichung von besonderer Bedeutung; die beanspruchte Erfindung kann allein aufgrund dieser Veröffentlichung nicht als neu oder auf erfinderischer Tätigkeit beruhend betrachtet werden
- \*Y\* Veröffentlichung von besonderer Bedeutung; die beanspruchte Erfindung kann nicht als auf erfinderischer Tätigkeit beruhend betrachtet werden, wenn die Veröffentlichung mit einer oder mehreren anderen Veröffentlichungen dieser Kategorie in Verbindung gebracht wird und diese Verbindung für einen Fachmann naheliegend ist
- \*&\* Veröffentlichung, die Mitglied derselben Patentfamilie ist

Datum des Abschlusses der internationalen Recherche	Absendedatum des Internationalen Recherchenberichts
1. Oktober 2004	14/10/2004
Name und Postanschrift der Internationalen Recherchenbehörde  Europäisches Patentamt, P.B. 5818 Patentlaan 2 NL - 2280 HV Rijswijk Tel. (+31-70) 340-2040, Tx. 31 651 epo nl, Fax: (+31-70) 340-3016	Bevollmächtigter Bediensteter  STEINHEIMER, K

## INTERNATIONALER RECHERCHENBERICHT

Internationales Aktenzeichen  
PCT/DE2004/000577

C.(Fortsetzung) ALS WESENTLICH ANGESEHENE UNTERLAGEN		
Kategorie°	Bezeichnung der Veröffentlichung, soweit erforderlich unter Angabe der in Betracht kommenden Teile	Betr. Anspruch Nr.
A	ROSSOLL WILFRIED ET AL: "Specific interaction of Smn, the spinal muscular atrophy determining gene product, with hnRNP-R and gry-rbp/hnRNP-Q: A role for Smn in RNA processing in motor axons?" HUMAN MOLECULAR GENETICS, Bd. 11, Nr. 1, 1. Januar 2002 (2002-01-01), Seiten 93-105, XP002254072 ISSN: 0964-6906 in der Anmeldung erwähnt das ganze Dokument, siehe insbesondere die Zusammenfassung -----	1-11
A	WO 99/43806 A (INCYTE PHARMA INC ; CORLEY NEIL C (US); GUEGLER KARL J (US); TANG Y TO) 2. September 1999 (1999-09-02) das ganze Dokument -----	1-11
A	WANG JIN ET AL: "A cell system with targeted disruption of the SMN gene: Functional conservation of the SMN protein and dependence of Gemin2 on SMN" JOURNAL OF BIOLOGICAL CHEMISTRY, Bd. 276, Nr. 13, 30. März 2001 (2001-03-30), Seiten 9599-9605, XP002298127 ISSN: 0021-9258 das ganze Dokument, insbesondere die Zusammenfassung -----	1-11

**INTERNATIONALER RECHERCHENBERICHT**

Angaben zu Veröffentlichungen, die zur selben Patentfamilie gehören

Internationales Aktenzeichen

PCT/DE2004/000577

Im Recherchenbericht angeführtes Patentdokument		Datum der Veröffentlichung		Mitglied(er) der Patentfamilie		Datum der Veröffentlichung
DE 4416446	A	17-11-1994	DE	4416446 A1		17-11-1994
			IT	T0940379 A1		14-11-1994
			JP	7099981 A		18-04-1995
US 5543509	A	06-08-1996	KEINE			
WO 9943806	A	02-09-1999	US	6130064 A		10-10-2000
			AU	2593199 A		15-09-1999
			CA	2321747 A1		02-09-1999
			EP	1056849 A1		06-12-2000
			JP	2002504367 T		12-02-2002
			WO	9943806 A1		02-09-1999
			US	6620783 B1		16-09-2003
			US	2004077007 A1		22-04-2004